



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/59031/2026
EMA/H/C/004312

Spinraza (*nusinerseeni*)

Yleistajuiset yleistiedot Spinrazasta ja siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Spinraza on ja mihin sitä käytetään?

Spinraza on lääke, jolla hoidetaan kromosomiin 5q liittyvää spinaalista lihasatrofiaa. Se on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa lihasheikkoutta ja lihasten, myös keuhkojen lihasten, surkastumista. Sairaus liittyy vaurioon 5q-kromosomissa, ja oireet alkavat yleensä pian syntymän jälkeen.

Spinaalinen lihasatrofia on harvinainen sairaus, ja Spinraza nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 2. huhtikuuta 2012. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Spinrazan vaikuttava aine on nusinerseeni.

Miten Spinrazaa käytetään?

Spinrazaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa spinaalisen lihasatrofian hoitoon perehtynyt lääkäri.

Lääkettä on saatavana injektionesteenä. Sitä annetaan intratekaalisena injektiona (alaselästä suoraan selkäyttimeen), ja injektio antaa lääkäri tai sairaanhoitaja, jolla on kokemusta tämän toimenpiteen tekemisestä. Potilaalle voidaan joutua antamaan rauhoittavaa lääkettä ennen Spinrazan antamista.

Spinrazaa on annettava mahdollisimman pian sen jälkeen, kun potilaalla on diagnosoitu spinaalinen lihasatrofia. Hoitoa on jatkettava niin kauan kuin potilas hyötyy siitä.

Lisätietoja Spinrazan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Spinraza vaikuttaa?

Spinaalista lihasatrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu ns. survival motor neuron (SMN) -proteiini, joka on motoristen hermosolujen (lihasten liikkeitä hallitsevien, selkäytimessä olevien hermosolujen) eloonjäämisen ja normaalin toiminnan kannalta välttämätön. SMN-proteiini syntyy kahdesta geenistä, SMN1:stä ja SMN2:sta. Spinaalista lihasatrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu SMN1-geeni, mutta heillä on SMN2-geeni. Se tuottaa pääasiassa lyhyttä SMN-proteiinia, joka ei toimi niin hyvin kuin täyspitkä proteiini.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Spinraza on synteettinen antisense-oligonukleotidi (erään tyyppinen geneettinen materiaali), jonka ansiosta SMN2-geeni voi tuottaa täyspitkää proteiinia, joka pystyy toimimaan normaalisti. Se korvaa puuttuvan proteiinin, jolloin sairauden oireet lievittyvät.

Mitä hyötyä Spinrazasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 121 spinaalista lihasatrofiaa sairastavaa vauvaa (ikä keskimäärin 7 kuukautta), osoitettiin, että Spinraza on tehokas liikuntakyvyn parantamisessa, kun sitä verrattiin lumelääkkeeseen (valeinjektioon).

Vuoden mittaisen hoidon jälkeen 51 prosentilla Spinrazaa saaneista vauvoista (37 vauvaa 73:sta) oli tapahtunut edistystä pään liikkeen hallinnassa, kääntymisessä, istumisessa, ryömimisessä, seisomisessa ja kävelemisessä. Vastaavaa kehitystä ei havaittu yhdelläkään lumelääkettä saaneista vauvoista. Lisäksi useimmat Spinrazaa saaneet vauvat elivät pitempään, ja he tarvitsivat hengityslaitetta myöhemmin kuin lumelääkettä saaneet vauvat.

Toisessa tutkimuksessa Spinrazan tehoa arvioitiin lapsilla, joiden spinaalinen lihasatrofia oli lievempi ja diagnosoitu myöhemmin (keskimäärin kolmen vuoden iässä). Hoidon kestänyt 15 kuukautta 57 prosentilla Spinrazaa saaneista lapsista oli tapahtunut liikuntakyvyn paranemista verrattuna 26 prosenttiin lumelääkettä saaneista lapsista.

Spinrazalla tehtyjä tutkimuksia kuvataan tarkemmin lääkevalmisteen arviointiraporteissa.

Mitä haittavaikutuksia ja rajoituksia Spinrazaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Spinrazan ilmoitetusta haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Spinrazan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat päänsärky, selkäkipu ja oksentelu. Näiden haittavaikutusten oletetaan johtuvan lääkkeen antotavasta eli injektioista selkäyttimeen. Vauvoilla tiettyjä haittavaikutuksia ei voitu arvioida, koska he eivät osaa kertoa niistä.

Miksi Spinraza on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto totesi arvioinnissaan, että sairaus on vakava ja että tehokkaita hoitoja tarvitaan kiireellisesti.

Spinrazan on osoitettu johtavan kliinisesti merkittävään tilanteen paranemiseen pienillä lapsilla, joiden sairauden vaikeusaste vaihtelee. Vaikka lääkettä ei testattu potilailla, joilla on spinaalisen lihasatrofian vaikein tai lievin muoto, siitä oletetaan olevan vastaavanlaista hyötyä myös näille potilaille.

Haittavaikutusten katsottiin olevan hallittavissa, ja useimmat niistä liittyivät lääkkeen antotapaan.

Virasto katsoi, että Spinrazan hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Spinrazan turvallinen ja tehokas käyttö?

Spinrazaa markkinoiva yhtiö saattaa loppuun meneillään olevan tutkimuksen, joka koskee lääkkeen pitkäaikaista turvallisuutta ja tehoa potilailla, joilla ei vielä ole spinaalisen lihasatrofian oireita, ja toimittaa sen tulokset.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Spinrazan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Spinrazan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Spinrazasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet tehdään potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Spinrazasta

Spinraza sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 30. toukokuuta 2017.

Lisätietoja Spinrazasta, kuten pakkausseloste ja arviointiraportti, on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/spinraza.

Lisätietoja tämän lääkkeen saatavuudesta kussakin maassa saa ottamalla yhteyttä [kansalliseen toimivaltaiseen viranomaiseen](#).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 03-2026.